



Fabrazyme (agalzidază beta)  
Adminstrarea perfuziei de Fabrazyme la domiciliu:

# Ghid pentru profesioniștii din domeniul sănătății care tratează pacienți cu boala Fabry

VERSIUNE aprobată de ANMDMR în aprilie 2022

  
**Fabrazyme**<sup>®</sup>  
agalsidase beta

Procedurile prezentate în acest document au rolul de a oferi îndrumări generale, însă se supun practicilor medicale locale, precum și normelor și reglementărilor naționale.

01	Obiective și scopuri	3
02	Evaluarea eligibilității pentru administrarea perfuziei la domiciliu	4
03	Cerințele și organizarea administrării perfuziei la domiciliu	5
3.1	Pacientul	5
3.2	Medicul curant	6
3.3	Produse farmaceutice și echipamente pentru administrarea perfuziilor	7
3.4	Asistenta medicală responsabilă cu administrarea	7
3.5	Tratamentul prealabil și tratamentul de urgență	8
3.6	Jurnalul de tratament	8
04	Instrucțiuni privind pregătirea și administrarea medicamentului Fabrazyme	9
05	Administrarea medicamentului Fabrazyme	10
5.1	Prescripție	10
5.2	Materiale	11
5.3	Pregătirea	11
5.4	Reconstituirea Fabrazyme	12
5.5	Ditarea	12
5.6	Umplerea liniei de perfuzie	13
5.7	Introducerea acului în venă	13
5.8	Administrarea	14
5.9	Pregătirea perfuziei cu Fabrazyme când nu există un dispozitiv de acces venos	14
6	Informații de siguranță	15
7	Raportarea reacțiilor adverse suspectate	15
8	Informații suplimentare	16
9	Referințe	17
10	Anexe	17
10.1	Jurnal de tratament	17
10.2	Formular de urmărire țintită a terapiei de substituție enzimatică	17
10.3	Formular de raportare a informațiilor de siguranță nesolicitate individuale	17

## 1. OBIECTIVE ȘI SCOPURI

Obiectivul acestui document este de **oferi îndrumări profesioniștilor din domeniul sănătății privind gestionarea tratamentului la pacienții cărora li se administrează Fabrazyme la domiciliu**. Procesul (descriș în detaliu mai jos) va începe cu evaluarea și selecția pacienților precum și cu discutarea cerințelor pentru administrarea perfuziei la domiciliu. Această etapă este urmată de organizarea administrării perfuziei la domiciliu și instruire.

Terapia de substituție enzimatică este disponibilă pentru unele dintre tulburările de stocare lizozomală. Pentru a îmbunătăți confortul și calitatea vieții, **tratamentul intravenos poate fi transferat la domiciliul pacientului cu condiția îndeplinirii anumitor cerințe specifice [1-3]**. Perfuzia cu medicamentul Fabrazyme este disponibilă pentru tratarea pacienților cu boala Fabry și este, în general, bine tolerată [4-6].

În cazul în care cerințele pot fi îndeplinite, **pacientul se poate trata într-un mediu familiar, ceea ce crește confortul și flexibilitatea momentului de administrare a perfuziilor**. Se evită astfel timpii de deplasare către și de la spital, iar pacienții vor putea urma un program normal de școlarizare organizându-și mai ușor activitățile sociale și profesionale. În plus, reduce constrângerile legate de resursele spitalicești [1].

**Decizia de a trece la efectuarea tratamentului cu Fabrazyme la domiciliul pacientului se ia de către medicul curant și trebuie să țină seama de preferințele și de starea medicală a pacientului.**

**Decizia de a administra perfuzia la domiciliu este responsabilitatea medicului curant.** Distribuirea materialului educațional trebuie efectuată numai în cazul în care medicul curant decide că pacientul este eligibil pentru tratamentul cu perfuzii la domiciliu. **Este responsabilitatea medicului curant de a asigura administrarea în condiții de siguranță și de a evita riscurile erorilor de medicație și a reacțiilor de hipersensibilitate.** Acest lucru trebuie verificat și documentat de medicul curant.

Procedurile prezentate în acest document au rolul de a oferi îndrumări generale, însă se supun practicilor medicale locale precum și normelor și reglementărilor naționale.





## 2. EVALUAREA ELIGIBILITĂȚII PENTRU ADMINISTRAREA PERFUZIEI LA DOMICILIU



Înainte de a face orice pregătiri, medicul care supraveghează îngrijirea medicală a pacientului trebuie să stabilească dacă pacientul îndeplinește următoarele criterii principale pentru trecerea de la administrarea perfuziilor în spital la cea la domiciliu:

- **Pacientul este considerat stabil din punct de vedere medical.**  
Trebuie efectuată o evaluare amănunțită înainte de a decide schimbarea locului de efectuare a tratamentului.
- **Pacientului trebuie să i se fi administrat perfuzii cu Fabrazyme într-un mediu controlat timp de câteva luni.** Schimbarea locului de efectuare a tratamentului este condiționată de documentarea unui istoric de perfuzii bine tolerate, fără reacții asociate perfuziei (RAP) sau cu RAP ușoare care au fost controlate cu medicație prealabilă.
- **Pacientul trebuie să aibă un istoric de complianță la schema prescrisă de administrare a perfuziilor.**

## 3. CERINȚELE ȘI ORGANIZAREA ADMINISTRĂRII PERFUZIEI LA DOMICILIU

Odată ce pacientul este considerat eligibil pentru administrarea perfuziilor la domiciliu pe baza criteriilor principale, trebuie luate în considerare un set de cerințe pentru a se asigura administrarea perfuziilor de Fabrazyme în condiții de siguranță, eficiență și în mod fiabil la domiciliul pacientului.

### 3.1 Pacient

#### Aspecte generale

- Pacientul și/sau persoanele care îl îngrijesc **au fost informați de către medicul curant despre tratamentul care urmează să fie efectuat la domiciliu, despre riscurile asociate cum ar fi reacții de hipersensibilitate și erori de medicație și despre asigurarea asistenței medicale la domiciliu;** și trebuie să fie de acord cu tratamentul la domiciliu.
- Pacientul și/sau persoanele care îl îngrijesc **înțeleg boala și pot recunoaște reacțiile adverse, cum ar fi reacțiile de hipersensibilitate și erorile de medicație** și înțeleg procedura care trebuie respectată în cazul apariției acestora.
- **Locuința trebuie să fie adecvată pentru administrarea la domiciliu a perfuziei,** inclusiv un mediu curat care dispune de energie electrică, apă, acces la telefon, frigider și spațiu pentru păstrarea medicamentului Fabrazyme și a altor materiale pentru perfuzie.
- Pacientul a fost **informați că perfuzia trebuie administrată întotdeauna în prezența unui adult,** respectiv a asistentei medicale responsabilă cu administrarea perfuziilor, sau, în cazul în care a dobândit abilitățile de a-și administra singur perfuzia, un adult care cunoaște procedurile de administrare a perfuziilor și instruit corespunzător referitor la abordarea terapeutică a RAP și a erorilor de medicație (conform evaluării medicului curant sau a asistentei medicale responsabilă cu administrarea perfuziilor).



### Aspecte medicale

- Pacientul trebuie să fie **apt din punct de vedere fizic și mental** pentru a efectua administrarea perfuziei la domiciliu. Medicul curant este responsabil pentru recomandarea de administrare a perfuziilor de Fabrazyme la domiciliu.
- Pacientul **are vene accesibile sau un dispozitiv central de acces venos** care să permită efectuarea în mod adecvat a perfuziei.



## 3.2 Medicul curant

- Medicul curant este **responsabil cu inițierea tuturor acțiunilor administrative necesare** care să permită altor persoane implicate (pacientul și/sau persoanele care îl îngrijesc, asistenta medicală responsabilă cu administrarea perfuziilor, farmacistul) să urmeze procedura.
- Medicul curant **este responsabil pentru furnizarea către pacient a "Manualului pentru pacienții cu boala Fabry cărora li se administrează perfuzii la domiciliu cu medicamentul Fabrazyme" și a Jurnalului de tratament.**
- **Medicul curant este responsabil pentru stabilirea vitezei de perfuzie și a dozei.** Viteza de perfuzie pentru Fabrazyme, tolerată deja de pacient într-un mediu controlat (de exemplu, în spital sau în altă unitate medicală) nu trebuie modificată în mediul casnic, cu excepția cazului în care acest lucru este necesar din motive de siguranță. **Orice modificare a modului de administrare a medicamentului Fabrazyme trebuie documentată în mod clar în Jurnalul de tratament (anexa 1).**
- **Medicul curant poartă responsabilitatea pentru administrarea perfuziilor la domiciliu.** Distribuirea materialului educațional se va efectua numai în cazul în care medicul curant decide că pacientul este eligibil pentru tratamentul cu perfuzii la domiciliu. Este responsabilitatea medicului curant să **asigure administrarea în condiții de siguranță pentru pacient, astfel încât să se evite riscurile erorilor de medicație și a reacțiilor de hipersensibilitate.** Acest lucru trebuie verificat și documentat de către medicul curant.
- **Tratamentul prealabil perfuziei,** dacă este administrat în spital sau în altă unitate medicală (de exemplu antihistaminice, paracetamol, ibuprofen, corticosteroizi), **trebuie furnizat pe baza prescripției medicale specifice fiecărui pacient și trebuie descris în Jurnalul de tratament.** Tratamentul nu trebuie modificat la domiciliu, cu excepția cazului în care este necesar din punct de vedere medical, fiind la latitudinea medicului curant.
- **Tratamentul de urgență trebuie furnizat pe bază de prescripție medicală specifică fiecărui pacient și trebuie descris în Jurnalul de tratament.**
- Medicul curant **trebuie să se asigure că este disponibilă o linie de comunicare rapidă și sigură** pentru a accelera o intervenție în caz de urgență atunci când este necesară asistență medicală imediată.
- **Pacienții care prezintă reacții adverse trebuie să se adreseze medicului curant sau personalului medical desemnat de către acesta.** Este posibil să fie necesară administrarea perfuziilor ulterioare în spital sau într-o altă unitate medicală, după cum consideră medicul curant sau personalul medical desemnat de acesta.
- **Monitorizarea cu regularitate a bolii pacientului căruia i se administrează perfuzii la domiciliu este responsabilitatea medicului curant.**



- **Programarea și monitorizarea corespunzătoare a perfuziilor** este responsabilitatea medicului curant și a asistentei medicale responsabilă cu administrarea perfuziilor.

### 3.3 Produse farmaceutice și echipamente pentru administrarea perfuziilor

Tratamentul și toate echipamentele necesare vor fi furnizate în conformitate cu normele și reglementările locale.

### 3.4 Asistenta medicală responsabilă cu administrarea perfuziilor

- Asistenta medicală responsabilă cu administrarea perfuziilor va avea un **rol de intermediere în relația dintre** medicul curant și pacient și/sau persoanele care îl îngrijesc pentru organizarea tratamentului la domiciliu și va stabili împreună cu medicul curant, pacientul și/sau persoanele care îl îngrijesc nivelul de asistență necesar la domiciliu.
- Asistenta medicală responsabilă cu administrarea perfuziilor este **calificată pentru a administra perfuzii intravenoase**, a fost instruită corespunzător cu privire la administrarea medicamentului Fabrazyme, a eventualelor reacții adverse (inclusiv reacții adverse grave cum sunt reacțiile de tip anafilactic) și a măsurilor care trebuie luate în cazul în care acestea apar.
- Asistenta medicală responsabilă cu administrarea perfuziilor **va urma cu strictețe modul de pregătire și administrare** a medicamentului Fabrazyme, așa cum se specifică în acest ghid.
- Asistenta medicală responsabilă cu administrarea perfuziilor va respecta cu strictețe doza prescrisă și viteza de perfuzie a medicamentului Fabrazyme, așa cum sunt specificate în Jurnalul de tratament (anexa 1).
- Asistenta asistentei medicale responsabilă cu administrarea perfuziilor, **înregistrează fiecare administrare de Fabrazyme în Jurnalul de tratament** (anexa 1).
- **Programarea și monitorizarea adecvată a perfuziilor** este responsabilitatea medicului curant și a asistentei medicale responsabilă cu administrarea perfuziilor.
- **În cazul unui RAP, asistenta medicală responsabilă cu administrarea perfuziilor trebuie să întrerupă administrarea perfuziei și să contacteze medicul curant și/sau să sune la numărul național pentru apeluri de urgență (112). Aceeași procedură va fi urmată în cazul în care apare o RAP la scurt timp după finalizarea perfuziei. Orice RAP trebuie înregistrată în Jurnalul de tratament (anexa 1).**





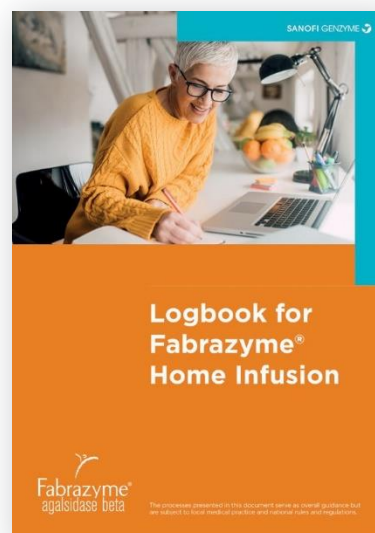
### 3.5 Tratamentul prealabil și tratamentul de urgență

- **Tratamentul prealabil adecvat trebuie furnizat pe baza prescripției medicale specifice fiecărui pacient.** Tratamentul administrat în spital sau într-o altă unitate medicală nu trebuie modificat la domiciliu, cu excepția cazului în care acest lucru este necesar din punct de vedere medical, după cum consideră medicul curant.
- **Medicamentele trebuie să fie disponibile pentru a răspunde unei situații de urgență,** dacă este necesar. Medicul curant trebuie să asigure pacientului și/sau persoanelor care îl îngrijesc instruirea corespunzătoare privind utilizarea medicamentelor de urgență.
- **În cazul în care pacientul prezintă o reacție adversă în timpul sau la scurt timp după perfuzie, perfuzia trebuie întreruptă imediat, iar medicul curant sau personalul medical desemnat de acesta trebuie contactat pentru recomandări. Este posibil să fie necesară administrarea perfuziilor ulterioare într-un spital sau într-o altă unitate medicală. Toate reacțiile adverse, inclusiv erorile de medicație, trebuie raportate Departamentului de Farmacovigilență al Companiei Sanofi de către medicul curant (instrucțiunile privind raportarea sunt furnizate în acest ghid la punctul 7 (Raportarea reacțiilor adverse suspectate).**



### 3.6 Jurnalul de tratament

- Jurnalul de tratament are rolul unui **mijloc de comunicare** între toate persoanele implicate în administrarea medicamentului Fabrazyme la domiciliu.
- **Asistența medicală/pacientul/persoanele care îl îngrijesc vor înregistra în Jurnalul de tratament constatările și acțiunile de la prima vizită și apoi toate informațiile relevante de la vizitele ulterioare.**
- **În Jurnalul de tratament trebuie completată o listă cu detalii de contact în caz de necesitate,** care să fie disponibilă la domiciliu, atât pacientului și/sau persoanelor care îl îngrijesc, cât și asistentei medicale.
- Jurnalul de tratament **trebuie păstrat la domiciliul pacientului** și va fi actualizat de către asistenta medicală/pacientul/persoanele care îl îngrijesc la fiecare administrare a medicamentului Fabrazyme.
- Pacientul **trebuie să poarte cu sine Jurnalul de tratament la fiecare vizită medicală la spital** și să-l aducă acasă după aceea.
- În jurnalul de tratament, **medicul curant precizează în mod clar doza, volumul necesar de reconstituire, viteza de perfuzie, precum și orice modificări.** Medicul curant precizează în mod clar ce trebuie făcut și ce medicație trebuie administrată în cazul unei RAP grave, în conformitate cu standardele medicale actuale pentru tratamentul de urgență. Detaliile de contact ale medicului curant și numărul național de urgență specific sunt documentate în Jurnalul de tratament (anexa 1).



  
**Fabrazyme**<sup>®</sup>  
agalsidase beta

## 4. INSTRUCȚIUNI PRIVIND PREGĂTIREA ȘI ADMINISTRAREA MEDICAMENTULUI FABRAZYME

În principiu, instrucțiunile inițiale se vor acorda în spital, iar nivelul de asistență necesar din partea asistentei medicale va fi discutat și convenit de medicul curant împreună cu pacientul și/sau cu persoanele care îl îngrijesc.

Medicul curant este responsabil pentru organizarea perfuziei la domiciliu și este necesar acordul acestuia privind procedura de efectuare a perfuziei la domiciliu.

Asistenta medicală va efectua întreaga procedură pentru primele perfuzii efectuate la domiciliul pacientului. Ulterior, în cazul în care pacientul preferă să efectueze el însuși procedura sau cu ajutorul unei persoane care îl îngrijește, se vor respecta următoarele condiții:

- **Pacientul și/sau persoanele care îl îngrijesc vor fi instruiți adecvat de către asistenta medicală cu privire la modul în care se prepară și se administrează perfuzia.** Asistenta medicală va explica și va efectua demonstrativ procedura completă de perfuzie pentru pacient și/sau pentru persoanele care îl îngrijesc, inclusiv va efectua instruirea în ceea ce privește igiena mâinilor, dezinfectarea corespunzătoare și manipularea în condiții de asepsie la pregătirea perfuziei.
- La vizitele ulterioare, **asistenta medicală va fi prezentă pentru a ajuta, dacă este necesar, până când pacientul și/sau persoanele care îl îngrijesc se simt capabili să efectueze întreaga procedură de administrare a perfuziei.**
- La reconstituirea și administrarea medicamentului Fabrazyme trebuie **respectate cu strictete procedurile descrise** în Rezumatul caracteristicilor produsului pentru medicamentul Fabrazyme și la **punctul 5 "Administrarea perfuziilor de Fabrazyme" din acest document,** iar fiecare administrare de Fabrazyme trebuie înregistrată în Jurnalul de tratament (anexa 1).





- În cazul dobândirii abilităților de a efectua singur perfuzia, aceasta trebuie întotdeauna administrată în prezența unui adult care cunoaște procedurile de administrare a perfuziilor și care este instruit corespunzător referitor la modul de abordare a RAP și a erorilor de medicație, așa cum a evaluat medicul curant sau asistenta medicală.
- În cazul oricărei RAP, perfuzia trebuie întreruptă imediat, iar pacientul și/sau persoanele care îl îngrijesc trebuie să apeleze medicul curant sau personalul medical desemnat de acesta. În cazul unei urgențe, consultați detaliile de contact pentru situații de urgență din Jurnalul de tratament (anexa 1). Trebuie urmată aceeași procedură în cazul în care apare o RAP la scurt timp după terminarea perfuziei.

## 5. ADMINISTRAREA FABRAZYME

Instrucțiunile de utilizare referitoare la reconstituire, diluare și administrare se găsesc în Rezumatul caracteristicilor produsului (RCP). La acest punct este furnizată o descriere detaliată.

### 5.1 Prescripția

Doza de Fabrazyme, volumul necesar pentru reconstituire, viteza de perfuzie, medicația prealabilă, medicația de urgență, precum și orice modificări vor fi stabilite de medicul curant. Prescripția trebuie notată în Jurnalul de tratament (anexa 1). Orice modificare a acestei prescripții (doză sau viteză de perfuzie) trebuie înregistrată din nou în Jurnalul de tratament.

### 5.2 Materialele

Se vor furniza de spital/farmacie pacientului sau unei alte persoane, pe baza unei prescripții medicale corespunzătoare:

- Flacoane de Fabrazyme (35 mg per flacon); trebuie păstrate într-un frigider curat, la o temperatură cuprinsă între +2°C și +8°C.
- Apă pentru preparate injectabile pentru reconstituirea medicamentului.
- Soluție perfuzabilă de clorură de sodiu 0,9%, 2 x 250 ml pentru administrarea intravenoasă.
- Soluție perfuzabilă de clorură de sodiu 0,9%, 2 x 50 ml pentru spălarea liniei de perfuzie înainte și după perfuzie.
- Clorhexidină 0,5% în alcool 70% (soluție antiseptică).
- Număr adecvat de seringi de 2 ml, 10 ml și 50 ml, în funcție de doza de Fabrazyme.
- 3 x ace hipodermice sterile (1,1 x 40 mm).
- 1 x ac de perfuzie.
- Linie de perfuzie cu filtru de 0,2 microni cu capacitate redusă de legare a proteinelor.
- Set de administrare a perfuziei (linie de perfuzie).
- Bandă adezivă.
- Tampoane sterile pentru dezinfectarea pielii.
- Recipient pentru obiecte ascuțite.
- Soluție pentru spălarea mâinilor.
- Garou.
- Materiale suplimentare în cazul utilizării unui dispozitiv de acces venos: heparină, soluție de clorură de sodiu 0,9%, ace, seringi, pachet cu pansamente, mănuși sterile, ac Gripper.
- Medicație prealabilă tratamentului (dacă este cazul)
- Medicamente de urgență (așa cum este descrisă în Jurnalul de tratament)

### 5.3 Pregătirea

**Notă:** Instrucțiunile de utilizare (reconstituire, diluare și administrare) sunt prezentate în RCP. La acest punct se găsește o descriere detaliată.

1. Pregătiți o suprafață curată de lucru și așezați materialele necesare.
2. Flacoanele de medicament trebuie scoase din frigider pentru a ajunge la temperatura camerei cu aproximativ 30 de minute înainte de preparare.
3. Verificați data de expirare imprimată pe partea inferioară a ambalajului flaconului (nu utilizați după data de expirare marcată).
4. Verificați dacă numărul de flacoane primite este corect.
5. Pregătiți numai numărul de flacoane necesare pentru o perfuzie.

**Notă:** Trebuie respectate instrucțiunile de păstrare descrise în instrucțiunile de utilizare din RCP.



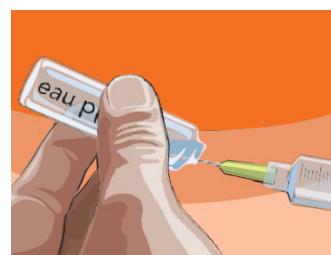
5.3 PASUL 1: Pregătirea materialelor

## 5.4 Reconstituirea Fabrazyme

1. Îndepărtați capacul flip-off al flaconului de Fabrazyme.
2. Dezinfectați dopul de cauciuc al flaconului cu clorhexidină și lăsați-l să se usuce la aer.
3. Deschideți recipientul cu apă pentru preparate injectabile.
4. Extrageți în seringă cantitatea necesară (ml) de apă pentru preparate injectabile.  
*Pentru flacoanele de 35 mg, reconstituiți fiecare flacon cu 7, 2 ml apă pentru preparate injectabile.*
5. Evitați împingerea cu putere a apei pentru preparate injectabile din seringă în pulbere, pentru a reduce la minimum spumarea. Adăugarea apei trebuie făcută lent prin picurare pe pereții interiori ai flaconului. Rotiți și înclinați ușor fiecare flacon. Nu răsturnați, învârtiți sau agitați flaconul.
6. Repetați procesul pentru mai multe flacoane de Fabrazyme, dacă sunt necesare.
7. După amestecare pot apărea bule mici de aer.
8. Lăsați soluția să se stabilizeze timp de câteva minute pentru a permite eventualelor bule de aer prezente să dispară și pentru a vă asigura că pulberea este reconstituită corect.
9. După reconstituire, medicamentul trebuie inspectat vizual înainte de utilizare. Soluția reconstituită trebuie să fie un lichid limpede, incolor și fără particule străine. Deoarece aceasta este o soluție de proteine, poate apărea o ușoară floclare/turbiditate (descrisă ca fibre translucide subțiri).
10. Dacă se observă particule străine sau modificări de culoare a soluției, medicamentul nu trebuie utilizat, iar asistenta medicală și/sau medicul curant trebuie informați.
11. Se recomandă ca flacoanele să fie diluate imediat după reconstituire pentru a reduce la minimum formarea particulelor proteice în timp.
12. Orice medicament neutilizat sau material rezidual trebuie eliminat în conformitate cu reglementările locale.



5.4 PASUL 2: Dezinfectați flaconul



5.4 PASUL 4: Extrageți cantitatea necesară de apă sterilă în seringă



5.4 PASUL 5: Evitați evacuarea forțată a apei pentru injecții din seringă



5.5 PASUL 3: Retrageți încet volumul necesar de soluție de NaCl 0,9%, echivalent cu volumul fabrazyme reconstituit

## 5.5 Diluarea

1. Dezinfectați cu clorhexidină capacul/portul de la 1 sau 2 pungi de soluție de clorură de sodiu 0,9% și lăsați să se usuce la aer.
2. Volumul soluției reconstituite de Fabrazyme trebuie să corespundă volumului prescris menționat în Jurnalul de tratament (anexa 1).
3. Introduceți acul în dopul pungii de perfuzie și extrageți încet un volum de soluție de clorură de sodiu 0,9%, echivalent cu volumul soluției reconstituite de Fabrazyme care urmează să fie adăugată.  
*De exemplu, dacă volumul de soluție reconstituită prescris este de 14 ml, scoateți 14 ml (2 x 7 ml) din punga cu soluție de NaCl. Nu îndepărtați niciodată mai mult de jumătate din conținutul pungii de soluție de NaCl pentru a vă asigura că cel puțin jumătate din soluția diluată este soluție de NaCl.*

4. Eliminați aerul din interiorul pungii de perfuzie prin extragerea acesteia într-o seringă de 50 ml.
5. Extrageți încet soluția reconstituită din fiecare flacon până când se atinge volumul total necesar.  
*Atunci când sunt extrase aceste cantități, soluția reconstituită nu trebuie să conțină deloc spumă.*
6. Injectați lent volumul total de soluție reconstituită de Fabrazyme în punga cu soluție de clorură de sodiu 0,9%.
7. Amestecați cu atenție această soluție de Fabrazyme răsturnând sau masând ușor punga de perfuzie. Nu scuturați sau agitați excesiv punga de perfuzie.
8. Soluția diluată trebuie administrată cu ajutorul unei linii de perfuzie cu filtru de 0,2 μm și capacitate redusă de legare a proteinelor.



5.5 PASUL 5: Extrageți încet soluția reconstituită din fiecare flacon până la volumul total necesar



5.5 PASUL 5: Produsul reconstituit nu trebuie să conțină spumă

## 5.6 Umplerea liniei de perfuzie

1. Scoateți setul de perfuzie din ambalaj și închideți-l cu ajutorul regulatorului de debit cu roțiță. Conectați filtrul la linia de perfuzie.
2. Conectați acul la punga cu soluție de clorură de sodiu 0,9% care nu conține Fabrazyme și umpleți sistemul de perfuzie ținând camera de picurare răsturnată și deschizând regulatorul de debit.
3. Umpleți întregul sistem, îndepărtați eventualele bule de aer și închideți regulatorul de debit.
4. Conectați punga de perfuzie care conține Fabrazyme la sistemul de perfuzie în Y. Mențineți regulatorul de debit în poziția închisă.

## 5.7 Inserarea acului în venă

În caz de auto-perfuzie, persoana adultă prezentă în timpul perfuziei trebuie să fi fost instruită în mod adecvat (de către asistenta medicală, medicul curant sau personalul medical desemnat de acesta) cu privire la tehnica de inserare a acului în venă.

1. Asigurați-vă că aveți la îndemână câteva benzi de plastru adeziv și capătul setului de perfuzie. Se așează în apropiere clorhexidina, împreună cu câteva comprese de tifon.
2. Se scoate din ambalaj acul de perfuzie.
3. Rugați pacientul să se așeze și să-și sprijine un braț pe masă (de preferință pe o bucată de cârpă curată).
4. Aplicați garoul și dezinfectați zona în care urmează să fie introdus acul și lăsați-o să se usuce.
5. Întindeți bine pielea și introduceți acul (cu bizoul orientat în sus) la un unghi mic prin piele, în venă. Când acul a pătruns în venă, un "jet" de sânge va fi vizibil în partea proximală a tubulaturii.

- Introduceți acul aproximativ 0,5 cm în venă pentru a vă asigura că nu iese imediat. Utilizați bandă adezivă pentru a fixa acul. Conectați setul de perfuzie prevăzut cu filtru la ac.
- Îndepărtați garoul; în acest moment tubul se va umple cu sânge. Dacă acest lucru nu se întâmplă, acul nu este poziționat corect în venă. În acest caz procesul trebuie repetat folosind un ac nou. Deschideți regulatorul de debit pentru soluția de clorură de sodiu 0,9%.
- Reglați viteza de perfuzie conform prescripției (Jurnal de tratament, anexa 1) și deschideți valva. Așezați-vă și relaxați-vă cât timp se administrează perfuzia.

## 5.8 Administrarea

- Din punct de vedere microbiologic, medicamentul trebuie utilizat imediat. Dacă nu este utilizat imediat păstrarea și condițiile de utilizare sunt responsabilitatea utilizatorului. Medicamentul diluat în soluție de NaCl 0,9% își va păstra stabilitatea chimică dacă este păstrat până la 24 ore la o temperatură cuprinsă între 2°C și 8°C și protejat de lumină.
- Doza de Fabrazyme, viteza de perfuzie, precum și orice modificări, vor fi stabilite de medicul curant. Tratamentul nu trebuie modificat la domiciliu, cu excepția cazului în care acest lucru este necesar din punct de vedere medical, la recomandarea medicului curant.
- După terminarea perfuziei de Fabrazyme, sistemul este spălat cu soluție de NaCl 0,9% cu aceeași viteză și se îndepărtează acul.

## 5.9 Pregătirea perfuziei de Fabrazyme când există un dispozitiv de acces venos

Când pacientul are un dispozitiv de acces venos pentru administrarea medicamentului Fabrazyme, asistenta medicală va arăta pacientului și/sau persoanelor care îl îngrijesc modul în care trebuie îngrijit dispozitivul, în cazul în care acest lucru nu a fost efectuat deja în spital.

Îngrijirea adecvată la domiciliu a unui dispozitiv de acces venos implică irigarea regulată cu heparină pentru a preveni tromboza și atenție pentru respectarea asepsiei pentru a preveni contaminarea cu agenți infecțioși.

Pacientul și/sau persoanele care îl îngrijesc vor fi informați cu privire la următorii pași necesari:

- Când este utilizat, acoperiți locul cu pansament ocluziv transparent. Nu este necesară aplicarea unui pansament atunci când dispozitivul nu este utilizat.
- Se spală cu 5 ml soluție NaCl 0,9% înainte și după fiecare utilizare.
- Se spală cu 5 ml heparină (100 U/ml) după fiecare utilizare.



## 6. Informații de siguranță

Vă rugăm să consultați punctul 4 din Rezumatul caracteristicilor produsului (RCP) pentru informații complete privind siguranța medicamentului Fabrazyme.

## 7. Raportare a reacțiilor adverse suspectate

Un eveniment advers (EA) este definit ca orice apariție fizică, psihologică sau comportamentală nedorită la un pacient căruia i s-a administrat un medicament care nu trebuie neapărat să aibă o relație cauzală cu acest tratament. Un eveniment advers grav (SAE) implică un eveniment definit ca având cel puțin unul dintre următoarele rezultate sau caracteristici:

- Provoacă decesul.
- Pune viața în pericol (orice eveniment în care pacientul a fost expus riscului de deces în momentul evenimentului; nu se referă la un eveniment care, ipotetic, ar fi putut provoca moartea dacă ar fi fost mai grav).
- Necesită spitalizare sau prelungirea spitalizării.
- Provoacă un handicap sau incapacitate durabilă sau importantă (orice reacție adversă care a dus la o perturbare substanțială a capacității unei persoane de a desfășura activitățile normale ale vieții).
- Provoacă anomalii congenitale/malformații congenitale.
- Este un eveniment medical important (orice eveniment care, pe baza unei judecăți medicale adecvate, poate pune în pericol pacientul și poate necesita intervenție medicală sau chirurgicală pentru a preveni unul dintre rezultatele enumerate mai sus).



### **Apel la raportarea reacțiilor adverse**

Este important să raportați orice reacție adversă suspectată, asociată cu administrarea medicamentului Fabrazyme, către Agenția Națională a Medicamentului și a Dispozitivelor Medicale din România ([www.anm.ro](http://www.anm.ro)), în conformitate cu sistemul național de raportare spontană, prin intermediul „Fișei pentru raportarea spontană a reacțiilor adverse la medicamente” care este disponibilă pe pagina web a Agenției Naționale a Medicamentului și a Dispozitivelor Medicale/Medicamente de uz uman/Raportează o reacție adversă, trimisă către:

#### **Agenția Națională a Medicamentului și a Dispozitivelor Medicale din România**

Str. Aviator Sănătescu nr. 48, sector 1  
011478 - București  
Fax: +4 021 316 34 97  
e-mail: [adr@anm.ro](mailto:adr@anm.ro)  
Raportare online: <https://adr.anm.ro/>  
Website: [www.anm.ro](http://www.anm.ro)

Totodată, reacțiile adverse suspectate se pot raporta și către reprezentanța locală a deținătorului autorizației de punere pe piață, prin completarea „Formularului de raportare a reacțiilor adverse” (Anexa 2) și trimiterea sa la adresa [pv.ro@sanofi.com](mailto:pv.ro@sanofi.com) sau direct la următoarele date de contact:

#### **Sanofi Romania SRL**

Str. Gara Herăstrău, nr. 4, Clădirea B, etajele 8-9  
Sector 2, București  
România  
Tel: +40 (0) 21 317 31 36  
Fax: +40 (0) 21 317 31 34  
e-mail: [pv.ro@sanofi.com](mailto:pv.ro@sanofi.com).

Reacțiile adverse care sunt considerate grave trebuie raportate în „Formularul de raportare a reacțiilor adverse” și trimise prin fax către compania Sanofi Romania SRL în termen de 24 de ore.

În cazul în care pacientul constată că s-a produs o eroare în pregătirea și/sau administrarea medicamentului, pacientul sau asistenta medicală trebuie să informeze medicul curant, pentru a stabili măsurile corespunzătoare. Orice eroare de medicație trebuie raportată Departamentului de Farmacovigilență al Sanofi Romania SRL, de către medicul curant

## 8. Informații suplimentare

Pentru indicații complete și informații suplimentare privind modul de utilizare aprobat pentru medicamentul Fabrazyme, vă rugăm să consultați Rezumatul caracteristicilor produsului (RCP). Informații suplimentare sunt disponibile și pe website-ul Agenției Europene a Medicamentului (EMA): <http://www.ema.europa.eu>.



## 9. Referințe bibliografice

- [1] Cousins A, Lee P, Rorman D, et al (2008) Terapia perfuzabilă la domiciliu pentru pacienții cu boala Fabry. Br J Nurs 17:653-7
- [2] Hughes DA, Milligan A, Mehta A (2007) Terapie la domiciliu pentru tulburări de stocare lizozomale. Br J Nurs 16:1384, 6-9
- [3] Parini R, Pozzi K, Di Mauro S, et al (2010) Terapie intravenoasă de substituție enzimatică: spital vs acasă. Br J Nurs 19:892-4, 6-8
- [4] Banikazemi M, Bultas J, Waldek S, et al (2007) Agalsidase-beta terapie pentru boala Fabry avansată: un studiu randomizat. Ann Intern Med 146:77-86
- [5] Eng CM, Guffon N, Wilcox WR, et al (2001) Siguranța și eficacitatea terapiei recombinante alfa-galactozidază umană A- substituție în boala Fabry. N Engl J Med 345:9-16
- [6] Germain DP, Waldek S, Banikazemi M, et al (2007) Stabilizare renală susținută, pe termen lung, după 54 luni de terapie beta agalsidază la pacienții cu boala Fabry. J Am Soc Nephrol 18:1547-57

## 10. Anexe

- 10.1 Jurnal de tratament
- 10.2 Formular de urmărire țintită a terapiei de substituție enzimatică
- 10.3 Formular de raportare a informațiilor de siguranță nesolicitate individuale





## Anexa 10.1

Jurnal de tratament pentru administrarea perfuziei de Fabrazyme la domiciliu

Date de contact (se completează de către medicul curant)

Numărul de telefon pentru apeluri de urgență: 112

### Pacientul

Nume:	
Data nașterii:	
Adresă:	
Cod poștal/Oraș:	
Telefon:	

### Persoana care îngrijește pacientul

Nume:	
Adresă:	
Cod poștal/Oraș:	
Telefon:	

### Farmacie

Nume:	
Adresă:	
Cod poștal/Oraș:	
Telefon:	

### Medic curant

Nume:	
Spital:	
Adresă:	
Cod poștal/Oraș:	
Telefon:	
Telefon de urgență:	

### Asistența medicală

Nume:	
Unitate:	
Adresă:	
Cod poștal/Oraș:	
Telefon:	

Detalii de administrare (se completează de către medicul curant)

Fabrazyme administrat de la:	(ZZ-LL-AAAA)
Prima perfuzie la domiciliu:	(ZZ-LL-AAAA)

### Regimul de doze Fabrazyme

Doza:	
Frecvență:	
Viteza de perfuzie:	
Volum reconstituit necesar (ml):	
Volumul total în punga de perfuzie (ml):	
Medicație prealabilă (dacă este cazul):	
Motivul administrării perfuziei la domiciliu:	
Constatări și măsuri rezultate în urma primei vizite:	
Indicați nivelul de asistență care trebuie acordat de către asistenta responsabilă cu administrarea perfuziilor la domiciliu:	





Măsurile necesare în cazul unei reacții grave asociate perfuziei  
(se completează de către medicul curant)

1. Opreți perfuzia	
2. Apelați numărul național de urgență	
Numărul de telefon pentru apeluri de urgență: 112	
3. Sunați medicul	
Număr de telefon:	
Număr de telefon (24 ore):	
Numele medicului:	
Denumirea clinicii:	
Adresă:	
4. Medicație de urgență	
Medicamente, inclusiv doza	
5. Persoana de contact a pacientului care trebuie notificată	
Nume:	
Telefon:	

Completați acest formular pentru fiecare ședință de perfuzie

- Pacientul și/sau persoanele care îl îngrijesc au fost informate cu privire la riscurile asociate administrării perfuziei de Fabrazyme la domiciliu și au fost asigurate instrucțiuni adecvate privind utilizarea medicației de urgență.
- În cazul oricărei reacții asociate perfuziei, **perfuzia trebuie întreruptă imediat**
- Măsurile necesare în cazul unei reacții grave asociate perfuziei, **inclusiv datele de contact în caz de urgență** sunt descrise în Jurnalul de tratament. Păstrați aceste informații la îndemână în timpul procedurii de administrare a perfuziei.

Doza	
Volum reconstituit necesar (ml):	
Numărul de flacoane utilizate:	(Flacoane de 35mg:)
Durata administrării:	
Viteza de administrare:	
Probleme/Observații legate de perfuzie, dacă există (inclusiv reacții asociate, măsuri luate și urmările):	
Starea generală de sănătate a pacientului - Descrieți orice probleme noi de sănătate cu care vă confrunțați în prezent înainte de perfuzie, dacă este cazul:	

Numele persoanei responsabile cu perfuzia	
Data perfuziei:	(zz-ll-aaaa)
Asistenta:	
Persoana care îngrijește pacientul (dacă este diferită de cea sus-menționată):	



## Anexa 10.2

Formular de urmărire țintită a terapiei de substituție enzimatică

În secțiunea "Informații despre produsul (produsele) suspect(e)" din Formularul de documentație a informațiilor individuale privind siguranța (ISI) și în secțiunea "Medicație suspectă/Dispozitiv medical (MD)/Vaccin (V)" din Formularul de raportare a informațiilor individuale nesolicitate privind siguranța (ISI), asigurați-vă că obțineți:

- Programul de administrare
- Data ultimei doze (înainte de eveniment)

În secțiunea "Informații despre evenimentele adverse (descrieți evenimentul)" din formularul de documentare ISI și în secțiunea "Descrierea cazului" din Formularul de raport ISI nesolicitat, asigurați-vă că:

**Specificați dacă evenimentul este o reacție asociată perfuziei sau nu. Dacă da, vă rugăm să furnizați următoarele detalii:**

La cât timp după începerea perfuziei a debutat reacția?	(timp până la debut)
Care a fost gravitatea?	(ușoară, moderată sau gravă)
S-a administrat vreun tratament corectiv?	
A fost observată vreo eroare de medicație în timpul perfuziei care poate explica apariția evenimentului?	

**Precizați dacă evenimentul advers a fost asociat cu o perfuzie la domiciliu. Dacă da, vă rugăm să furnizați următoarele detalii:**

Când a început pacientul perfuziile la domiciliu?	
Aproximativ câte perfuzii la domiciliu a primit pacientul până la momentul evenimentului advers?	
Pacientul a prezentat un eveniment advers similar în timpul unei perfuzii în spital în orice moment?	
Cine a administrat perfuzia la domiciliu asociată cu acest eveniment?	
A fost folosit un filtru în linie de 0,2 μm în timpul perfuziei la domiciliu?	

**Dacă evenimentul a fost o reacție asociată perfuziei, au fost obținute probe pentru testarea imunologiei? Dacă da, vă rugăm să furnizați următoarele detalii**

Ce teste de laborator (dacă există) au fost solicitate și care au fost rezultatele?	
Ce teste imunologice (dacă există) au fost solicitate și care au fost rezultatele?	
- Care a fost data și ora obținerii probei?	
- Ce teste specifice s-au făcut?	

În secțiunea "Istoric medical/Factori de risc" din formularul de documentare ISI și în secțiunea **Boli existente/Istoric medical/Factori de risc** din Formularul de raport ISI nesolicitat, asigurați-vă că indicați: **Pacientul a folosit anterior alte terapii de substituție enzimatică? Dacă da, furnizați:**

Denumirea produsului	
Frecvența de doze	
Doza totală	
Data de început	
Data opririi	
Motivul întreruperii tratamentului anterior de substituție enzimatică (de exemplu, dezvoltarea anticorpilor, reacții adverse grave etc.)	

În secțiunea "Medicație concomitentă" din formularul de documentare ISI și în secțiunea "Medicație concomitentă/Dispozitiv medical/Vaccin" din Formularul de raport ISI nesolicitat, asigurați-vă că obțineți: **S-au administrat medicamente înainte de perfuzie? Dacă da, furnizați:**

Denumirea produsului	(Nume marcă/HAN)
Doza	(Unitate/Frecvență/Sumă)
Data primei utilizări înainte de perfuzie	(Data de început)
Data ultimei utilizări înainte de perfuzie (sau în curs de desfășurare)	(Dată sau durată oprire)

## Anexa 10.3

Formular de raportare a informațiilor individuale  
nesolicitate privind siguranța (ISI)

Tabel portocaliu numai pentru utilizarea Sanofi

1. Secțiune administrativă numai pentru afiliat/partener		2. Pacient	
Data contactului companiei:		Nume:	
Data locală de primire PV:		Gen:	(M/F/Nec)
Țara apariției		Adresă:	
Cazul Social Media:	(Da/Nu)	Cod poștal/Oraș:	
Dacă da: Numele rețelelor de socializare		Tară:	
Inițial sau urmărire		Telefon:	
ID bază de date globală privind siguranța:		E-mail:	
Ref. locală Id:		Data nașterii:	
ID PTC local:		Vârstă sau grupă de vârstă (la momentul reacției):	
ID PTC global:		Înălțime:	
		Greutate:	
		Număr de înregistrare:	

3. Raportor	
Prenume:	
Nume de familie:	
Ocupație:	
Adresă:	
Cod postal/Oraș:	
Tară:	
Telefon:	
E-mail:	
În cazul în care raportorul principal este un consumator, informațiile de contact sunt furnizate pentru un profesionist din domeniul sănătății?*	(Da/Nu/NA)
Dacă țara dumneavoastră are nevoie de consimțământul pacientului pentru a contacta profesionistul din domeniul sănătății, pacientul și-a dat consimțământul? **	(Da/Nu/NA)
Cererea de FU a fost trimisă raportorului?	(Da/Nu/NA)
Raportorul nu va mai avea alte informații.	(Vă rugăm să indicați)
Raportorul nu dorește să fie contactat de Departamentul de Farmacovigilență	(Vă rugăm să indicați)

\*Dacă da, trebuie făcute încercări de a contacta PDS

\*\*Dacă NU, nu contactați PDS și nu documentați

## Anexa 10.3

Formular de raportare a informațiilor individuale nesolicitate privind siguranța

4. Medicație suspectă / Dispozitiv medical (MD) / Vaccin (V)					
Nume marcă /DCI					
Indicație					
Dozare / Unitate / Frecvență / Cantitate					
Număr lot <i>(Obligatoriu. Dacă nu este disponibil, introduceți NA/ dacă nu se poate obține deloc introduceți NO)</i>					
Data de început (ZZ/LL/AAAA)					
Data opririi sau durata (ZZ/LL/AAAA)					
Calea de administrare					
Produsul companiei (Da/Nu)					
Prima doză/Rapel (V)					
Locul injectării (V)					
Lateral (V)					
Dispozitivul medical este disponibil pentru evaluare (MD)?	(Da/Nu)				
Problema a apărut cu utilizarea inițială sau în timpul reutilizării dispozitivului medical (MD)?	(Da/Nu)				

Pentru produsul suspectat al companiei utilizat necorespunzător conform Autorizației locale de punere pe piață:

Este intenționat?	(Da/Nu/Necunoscut)
La inițiativa	(PDS/Consumator/Necunoscut)
Pentru un scop terapeutic?	(Da/Nu/Necunoscut)

### Comentarii

(Informații suplimentare: prezentare, seringă, doză unică, multidoză, condiții de depozitare):

### 5. Medicație concomitentă / Dispozitiv medical / Vaccin

Nume marcă /DCI					
Indicație					
Dozare / Unitate / Frecvență / Cantitate					
Număr lot					
Data de început (ZZ/LL/AAAA)					
Data opririi sau durata (ZZ/LL/AAAA)					
Calea de administrare					
Produsul companiei (Da/Nu)					
Prima doză /Rapel (V)					
Locul injectării (V)					
Lateral (V)					

### Comentarii

(Informații suplimentare: prezentare, seringă, doză unică, multidoză, condiții de depozitare):

#### 6. Descriere reacție

Reacție					
Data debutului (ZZ/LL/AAAA)					
Data opririi sau durată (ZZ/LL/AAAA)					
Rezultat					
Tratament corectiv					
Acțiuni întreprinse					
Reacția s-a redus după oprirea produsului?					
Reacția a reapărut după ce produsul a fost administrat din nou?					
Tipul de reacție (V)					
Lipsa eficacității / eșecului (V)					

#### 7. Descrierea cazului

Semne și simptome, cauze posibile, desfășurare, tratamente, istoric medical relevant, investigații, severitate	
--	--

#### 8. Boală în curs de desfășurare / Istoric medical / Factori de risc

personal (dacă este relevant pentru reacția descrisă în această formă):	
familie (dacă este relevant pentru reacția descrisă în această formă):	

#### 9. Antecedente de reacție adversă la administrarea anterioară a vaccinului (V)

Nume produs / Clasă terapeutică				
Data apariției (ZZ/LL/AAAA)				
Reacție				
Durată				
Comentarii				

#### 10. Investigații suplimentare

Tip / Rezultate (indicați unitatea / atașați fotocopii, dacă este cazul. Dacă pacientul a murit, vă rugăm să precizați dacă autopsia a fost efectuată și ce a rezultat)	
---	--

#### 11. Gravitate

Non-grave		Serios (selectați cel puțin un criteriu de mai jos)	
Moarte		Data decesului:	
Autopsia efectuată	(Da/Nu/Necunoscut)		
Viața în pericol			
Semnificativ din punct de vedere medical (conform PDS)			
Spitalizarea sau prelungirea spitalizării			
Durata spitalizării:			
Invaliditate sau incapacitate persistentă sau semnificativă			
Suspiciunea de transmitere a unui agent infecțios			
Anomalie congenitală, malformații congenitale			
Această reacție a fost raportată autorității de reglementare?	(Da/Nu)		

Nume & Semnătură

Această pagină a fost lăsată intenționat necompletată.

  
**Fabrazyme®**  
beta agalsidază

Această pagină a fost lăsată intenționat necompletată.

  
**Fabrazyme®**  
beta agalsidază





Versiune aprobată de ANMDMR în aprilie 2022

  
Fabrazyme®  
agalsidase beta